



EUROPEAN MEDICINES AGENCY  
SCIENCE MEDICINES HEALTH



# Z laboratoře k pacientovi: cesta léčivých přípravků hodnocená EMA

An agency of the European Union



# Z laboratoře k pacientovi : cesta léčivých přípravků hodnocená EMA



Tato brožura pojednává o humánních léčivých přípravcích, které jsou registrovány agenturou EMA prostřednictvím [centralizovaného postupu](#) EU. Brožura nezahrnuje léčivé přípravky registrované prostřednictvím národních postupů (včetně decentralizovaného postupu a postupu vzájemného uznávání) vnitrostátními orgány odpovědnými za léčivé přípravky v členských státech EU.

# 01

## Výzkum a vývoj

### Kdo provádí počáteční výzkum léčivých přípravků?

**Každý rok zkoumají farmaceutické a biotechnologické společnosti, jakož i lékaři a akademičtí pracovníci desítky tisíc látek z důvodu jejich potenciálu k léčbě nemocí. Pouze malá část z nich bude někdy natolik slibná, aby byla testována na pacientech, a jen zlomek látek bude mít dostatečně dobré výsledky studií, aby se dostaly na trh.**

Počáteční výzkum léčivých přípravků obvykle provádí farmaceutické a biotechnologické společnosti, přičemž některé velké společnosti vyvíjejí mnoho léčivých přípravků, zatímco jiné menší společnosti mohou zkoumat jen jeden či dva přípravky.

Výzkum provádí i lékaři a akademičtí pracovníci, kteří na výzkumu nových léčivých přípravků nebo nových použití starých léčivých přípravků mohou spolupracovat.



#### **Věděli jste, že...?**

*V rané fázi vývoje mohou výrobci inovativních přípravků s agenturou EMA diskutovat o vědeckých, právních a regulačních aspektech svých přípravků prostřednictvím [Pracovní skupiny pro inovace](#).*

*V roce [2018](#) bylo přijato 22 žádostí o diskusi v rané fázi, z nichž 9 zaslaly univerzity nebo skupiny odborníků z akademické sféry.*

Tito výzkumní pracovníci, ať už se jedná o veřejné instituce, nebo soukromé společnosti, každoročně zkoumají obrovské množství látek pro jejich léčebný potenciál. Pouze malá část zkoumaných sloučenin se však někdy stane natolik slibnou, aby byla dále vyvíjena.

### Jak se potenciální nové léčivé přípravky testují?

**Potenciální nové léčivé přípravky se nejprve testují v laboratoři a následně na dobrovolnících z řad lidí, tyto studie se nazývají [klinické studie](#). Testy pomáhají porozumět tomu, jak léčivé přípravky fungují, a vyhodnotit jejich přínosy a nežádoucí účinky.**

Výrobci léčivých přípravků, kteří chtějí provést klinickou studii v EU, musí podat žádost příslušným vnitrostátním orgánům v zemích, v nichž chtějí studii provádět.

Agentura EMA nemá při povolování klinických studií v EU žádnou úlohu, povolování studií je v odpovědnosti příslušných vnitrostátních orgánů.

Agentura EMA však ve spolupráci s členskými státy EU sehrává klíčovou roli při zajišťování toho, že výrobci léčivých přípravků dodržují unijní i mezinárodní normy. Výrobci, kteří provádějí studie za účelem podpory registrace léčivého přípravku v EU, ať už je provádějí v EU, nebo mimo ni, musí dodržovat přísná pravidla. Tato pravidla, nazývaná [správná klinická praxe](#), se vztahují na způsob uspořádání

studií, způsob zaznamenávání výsledků a způsob podávání zpráv o nich. Tato pravidla jsou zavedena, aby bylo zajištěno, že jsou studie vědecky podložené a jsou prováděny etickým způsobem.

## Může agentura EMA ovlivnit, jaké léčivé přípravky by měly být vyvinuty?

**Agentura EMA nemůže společnosti nutit, aby zkoumaly konkrétní léčivé přípravky na konkrétní nemoci. Může však zveřejňovat oblasti, v nichž jsou zapotřebí nové léčivé přípravky, aby zúčastněné strany podnítila k jejich výzkumu.**

Agentura EMA nesmí sponzorovat léčivé přípravky ani financovat výzkumné studie zabývající se konkrétním léčivým přípravkem, stejně jako nesmí společnosti nutit, aby prováděly výzkum v oblasti konkrétních léčivých přípravků nebo léčby konkrétních nemocí. Jakožto regulační orgán pro léčivé přípravky musí agentura EMA zachovat neutralitu a nesmí mít finanční či jiné zájmy na vyvíjených léčivých přípravcích.

Může však zveřejňovat oblasti, v nichž jsou zapotřebí nové léčivé přípravky, aby podnítila zúčastněné strany k jejich výzkumu, což také činí, například v oblasti nových antibiotik. Právní předpisy EU navíc stanoví opatření k podpoře společností při vývoji [léčivých přípravků pro vzácná onemocnění](#). To zahrnuje například snížení poplatků za získávání vědeckého poradenství od agentury EMA.

Právní předpisy EU rovněž stanoví systém povinností, odměn a pobídek na podporu výrobců při výzkumu a vývoji [léčivých přípravků pro děti](#).



# 02

## Vědecké poradenství

SUPPORT

HELP

ADVICE

GUIDANCE

### Co je vědecké poradenství?

Aby mohl být léčivý přípravek registrován, musí výrobce daného přípravku prokázat, že je účinný, bezpečný a kvalitní.

Během vývoje léčivého přípravku může výrobce agenturu EMA požádat o pokyny a vedení, co se týče osvědčených postupů a uspořádání studie vedoucích k získání spolehlivých informací týkajících se toho, jak léčivý přípravek působí a jak je bezpečný. Jedná se o takzvané vědecké poradenství.

Později, při podání žádosti o registraci, předkládá výrobce veškeré údaje shromážděné o daném léčivém přípravku agentuře EMA. Agentura tyto informace posoudí a rozhodne, zda je léčivý přípravek pro pacienty bezpečný a přínosný.

#### Vědecké poradenství:

- ▶ nepředstavuje předběžné hodnocení přínosů a rizik léčivého přípravku,
- ▶ nezaručuje, že léčivému přípravku bude udělena registrace.

### Proč agentura EMA poskytuje vědecké poradenství?

**Agentura EMA poskytuje vědecké poradenství, aby podpořila včasný a náležitý vývoj vysoce kvalitních, účinných a bezpečných léčivých přípravků ve prospěch pacientů.**

Agentura EMA poskytuje vědecké poradenství, protože:

- ▶ u lépe uspořádaných studií je pravděpodobnější, že z nich vzejdou spolehlivé a úplné údaje, které prokážou, zda je léčivý přípravek účinný a bezpečný. Čím dříve je možno prokázat, že nový léčivý přípravek je účinný a bezpečný, tím dříve jej lze zpřístupnit pacientům,
- ▶ díky poskytování poradenství nejsou pacienti ochuzeni o přínosné léčivé přípravky jen proto, že špatně navržené studie neprokázaly účinnost a bezpečnost léčivého přípravku,



#### Věděli jste, že...?

Z analýzy provedené v roce 2015 vyplývá, že dva ze tří programů vývoje, které byly předloženy k vědeckému poradenství, byly posouzeny jako nevhodné pro budoucí hodnocení přínosů a rizik léčivého přípravku. V návaznosti na vědecké poradenství bylo 63 % těchto studií upraveno tak, aby zahrnovaly lepší způsob posouzení účinnosti léčivého přípravku nebo vhodnější srovnávací přípravek.

- ▶ lepší uspořádání studií zabrání tomu, aby se pacienti účastnili studií, které nepřinesou užitečné důkazy,
- ▶ efektivnější vývoj znamená, že dostupné omezené vědecké zdroje jsou vynakládány co nejlépe ve prospěch pacientů.

Vědecké poradenství je užitečné zejména pro výrobce léčivých přípravků, kteří mají omezené znalosti v oblasti regulace léčivých přípravků, jako jsou skupiny odborníků z akademické sféry či mikropodniky a malé a střední podniky. Vědecké poradenství je rovněž relevantní pro inovativní léčivé přípravky, pro něž zatím nebyly vyvinuty vědecké pokyny, případně jsou omezené.



### Věděli jste, že...?

Agentura EMA poskytuje léčivým přípravkům, které jsou zaměřeny na onemocnění, pro něž neexistuje uspokojivá léčba a u nichž jsou počáteční výsledky slibné, zvláštní regulační podporu, včetně vědeckého poradenství v klíčových milnících vývoje, a to prostřednictvím iniciativy zvané [PRIME](#) (Priority Medicines, prioritní léčivé přípravky).

## Proč poskytují vědecké poradenství právě regulační orgány pro léčivé přípravky?

Regulační orgány pro léčivé přípravky mají jedinečné znalosti a zkušenosti ohledně toho, jak by měly být léčivé přípravky vyvíjeny, získané během mnoha let hodnocení léčivých přípravků. Je jejich povinností tyto znalosti sdílet a podporovat účinnější vývoj léčivých přípravků ve prospěch pacientů.

## Poskytuje agentura EMA poradenství i v jiných směrech?

**Ano. Agentura EMA vytváří vědecké pokyny, které radí výrobcům léčivých přípravků, jak nejlépe zkoumat jejich léčivé přípravky. Tyto pokyny se však pochopitelně musí zabývat běžnými situacemi a při jejich vypracovávání se nevěnuje pozornost nestandardním, inovativním přístupům. Vědecké poradenství proto stávající pokyny doplňuje a vychází z nich, je však uzpůsobeno konkrétním případům a může být nakonec použito k aktualizaci pokynů či vypracování pokynů nových.**

Pokyny nabízejí obecné poradenství ohledně nejlepších metod a uspořádání studií, které mají být použity při vývoji určitých typů léčivých přípravků, jako jsou vakcíny, antibiotika nebo léčivé přípravky na určitá onemocnění, například nádorová onemocnění. Pokyny se však zabývají pouze běžnými situacemi, nemohou pokrýt nové a inovativní přístupy, které se rovněž objevují. Jejich vypracování navíc nějakou dobu trvá.

Jako doplněk k pokynům je proto na požádání poskytováno zvláštní vědecké poradenství v souvislosti s vývojem jednotlivých léčivých přípravků. Poskytnuté poradenství vychází ze stávajících vědeckých pokynů, je však uzpůsobeno konkrétnímu léčivému přípravku a skupině pacientů, k jejichž léčbě má být přípravek určen.

V rámci tvorby a aktualizace pokynů jsou zase začleněny poznatky a zkušenosti získané během vědeckého poradenství a zkušenosti z hodnocení léčivých přípravků, zejména u inovativních léčivých přípravků. Když je například v několika posledních žádostech o vědecké poradenství doporučen nový cílový parametr, příslušné pokyny jsou přepracovány, aby tento nový cílový parametr uváděly. Tímto způsobem jsou poznatky získané během vědeckého poradenství sdíleny s širší vědeckou obcí.

## Kdo vědecké poradenství hradí?

Za vědecké poradenství hradí žadatelé administrativní poplatků. Poskytování vědeckého poradenství agenturou EMA požadují právní předpisy EU, které rovněž stanoví administrativní poplatky účtované žadatelům.

Na určité typy léčivých přípravků a žadatelů se vztahuje snížení: poplatků u léčivých přípravků pro vzácná onemocnění je snížen o 75% a poplatků pro mikropodniky a malé a střední podniky o 90%.



### Věděli jste, že...?

Zhruba třetina z 634 dokončených vědeckých poradenství v roce 2018 byla poskytnuta malým a středním podnikům a čtvrtina se týkala léčivých přípravků pro vzácná onemocnění. Díky snížení poplatků mohou mít malé a střední podniky, od nichž pochází veliké množství inovativních léčivých přípravků, během vývoje svých přípravků přístup k vědeckému poradenství.

## Co se v rámci vědeckého poradenství děje?

**Během vědeckého poradenství odborníci odpovídají na určité vědecké otázky vztahující se k vývoji konkrétního léčivého přípravku.**

Výrobce léčivého přípravku představí způsob, jakým zamýšlí svůj léčivý přípravek vyvinout, a stanoví otázky a možná řešení. Agentura EMA následně poskytne rady k návrhům výrobce. Během vědeckého poradenství agentura EMA nehodnotí výsledky studií a nijak nevyvozuje závěry ohledně toho, zda přínosy léčivého přípravku převyšují jeho rizika.

Otázky položené v rámci vědeckého poradenství se mohou vztahovat k(e):

- ▶ aspektům kvality (výroba, chemické, farmaceutické a biologické testování léčivého přípravku),
- ▶ neklinickým aspektům (toxikologické a farmakologické testy koncipované tak, aby prokázaly účinnost léčivého přípravku v laboratoři),
- ▶ klinickým aspektům (vhodnost studií na pacientech nebo zdravých dobrovolnících, výběr cílových parametrů, např. jak ve studii nejlépe měřit účinky, poregistrační činnosti včetně plánů řízení rizik),
- ▶ metodickým otázkám (jaké statistické zkoušky použít, analýza dat, modelování a simulace).

## Příklady otázek položených v rámci vědeckého poradenství:

- ▶ Jsou pacienti, kteří mají být zařazeni do studie, dostatečně reprezentativním vzorkem populace, pro niž je léčivý přípravek určen?
- ▶ Jsou měřítka plánovaná k hodnocení přínosů léčivého přípravku platná a relevantní?
- ▶ Je navrhovaný plán analýzy výsledků vhodný?
- ▶ Trvá studie dostatečně dlouho a zahrnuje dostatečný počet pacientů, aby poskytla potřebné údaje k vyhodnocení přínosů a rizik?
- ▶ Je léčivý přípravek porovnáván s vhodnou alternativou?
- ▶ Jsou plány sledující dlouhodobou bezpečnost přípravku vhodně navrženy?

## Kdo je do vědeckého poradenství zapojen?

### **Na položené dotazy odpovídají desítky odborníků ze široké škály oborů.**

V agentuře EMA je za posuzování žádostí o registraci odpovědný Výbor pro humánní léčivé přípravky (CHMP). Jednou z jeho úloh je také podporovat výzkum a vývoj prostřednictvím poskytování vědeckého poradenství. Tuto úlohu výbor CHMP svěřil Pracovní skupině pro vědecké poradenství agentury EMA, která vypracovává odpovědi na otázky výrobců. Výbor CHMP poté formálně přijme a vydá závěrečné doporučení.

Pracovní skupina pro vědecké poradenství má až 36 členů, kteří jsou odborníky z regulačních orgánů pro léčivé přípravky z celé EU, z akademické obce a z výborů agentury EMA pro vzácná onemocnění, pro moderní terapie a pro léčivé přípravky pro děti a z Farmakovigilančního výboru pro posuzování rizik léčiv. Zhruba pětina členů pracovní skupiny jsou také členy výboru CHMP. Toto překrývání umožňuje dlouhodobější shromažďování poznatků a odborných znalostí ohledně léčivého přípravku během vědeckého poradenství, které výbor CHMP využije při pozdějším posuzování žádosti o registraci.

Oblasti odbornosti členů Pracovní skupiny pro vědecké poradenství zahrnují neklinickou bezpečnost, farmakokinetiku, metodiku a statistiku, genovou a buněčnou terapii, jakož i terapeutické oblasti, v nichž je často požadováno vědecké poradenství, jako jsou kardiologie, onkologie, diabetologie, neurodegenerativní onemocnění a infekční onemocnění.

## Jsou do vědeckého poradenství zapojeni pacienti?

Pacienti jsou do vědeckého poradenství zapojeni často. Jsou vyzváni ke sdílení svého reálného pohledu a zkušeností, které se týkají konkrétního léčivého přípravku pro jejich onemocnění. To může výrobcům léčivých přípravků a regulačním orgánům pomoci lépe porozumět tomu, co bude u dané skupiny pacientů fungovat a co považují za důležité.

Mohou být konzultováni i další externí odborníci, čímž se rozšiřuje okruh osob s odbornými znalostmi, na něž se Pracovní skupina pro vědecké poradenství může obracet.



### **Věděli jste, že...?**

*V roce 2018 zahrnoval jeden z pěti postupů vědeckého poradenství pacienty a podle členů Pracovní skupiny pro vědecké poradenství představovali pacienti pro vědecké poradenství přidanou hodnotu téměř ve všech případech (kolem 90 %). Zhruba v jednom ze čtyř případů bylo v rámci vědeckého poradenství doporučeno, aby byl plán vývoje upraven tak, aby odrážel rady pacientů.*



## Má poskytování vědeckého poradenství vliv na hodnocení léčivého přípravku agenturou EMA?

**Vědecké poradenství a hodnocení přínosů a rizik léčivého přípravku se svojí povahou liší: zatímco vědecké poradenství se zabývá tím, jak by měl být léčivý přípravek zkoumán, aby byly získány spolehlivé důkazy, hodnocení v rámci posuzování žádosti o registraci se zabývá vlastními důkazy ze studií s cílem určit, zda přínosy léčivého přípravku převyšují jeho rizika, a to bez ohledu na jakékoli dříve udělené rady.**

Otázky vznesené v rámci vědeckého poradenství a ty, které jsou pokládány v rámci hodnocení léčivého přípravku, se zásadně liší: vědecké poradenství řeší otázky vztahující se k nevhodnějšímu způsobu testování a zkoumání léčivého přípravku, zatímco v rámci hodnocení léčivého přípravku se výbor CHMP zabývá výsledky studií a na jejich základě určuje, zda přínosy daného léčivého přípravku převyšují jeho rizika, a tedy zda může být registrován pro použití u pacientů.

Poskytování vědeckého poradenství by mělo usnadnit a urychlit hodnocení léčivých přípravků, protože je pravděpodobnější, že získané důkazy budou spolehlivější, vhodnější a ucelenější. To však neovlivňuje regulační orgány při přísném hodnocení bezpečnosti a účinnosti, ani to neznamená, že takové léčivé přípravky hodnocením automaticky projdou. Lepšími důkazy se rozumí snazší vyvození závěrů o poměru přínosů a rizik, ale nutně to neznamená, že bude takový léčivý přípravek registrován – lepší důkazy mohou pouze jasněji dokázat, že léčivý přípravek je škodlivý nebo neúčinný. Může se proto stát, že výrobci léčivých přípravků, kteří se řídili vědeckým poradenstvím, pro svůj přípravek stejně registraci nezískají. A naopak výrobci léčivých přípravků, kteří se poradenstvím neřídili, mohou pro svůj přípravek registraci získat.

Ačkoli se tyto postupy zabývají odlišnými oblastmi, dlouhodobější poznatky a odborné zkušenosti, které jsou shromažďovány během vědeckého poradenství, jsou užitečné z hlediska lepšího porozumění léčivému

přípravku a budou použity v rámci hodnocení žádosti o registraci.

V obou postupech se rozhodnutí přijímají společně a na základě rozsáhlých diskusí a konzultací. Jednotliví členové Pracovní skupiny pro vědecké poradenství nebo výboru CHMP nemohou určovat, jakým směrem se hodnocení vyvine – na hodnocení se musí dohodnout většina.



### Věděli jste, že...?

*Dodržení rad získaných během vědeckého poradenství zvyšuje šance na udělení registrace, ale nezaručuje ho. Z analýzy provedené v roce 2015 vyplývá, že [15% společností](#), které se řídily radami poskytnutými agenturou EMA v rámci vědeckého poradenství, obdrželo při podání žádosti o registraci záporné stanovisko. Celkově není registrace udělena 25% společností.*

## Co z výsledků vědeckého poradenství agentura EMA zveřejňuje?

Během fáze vývoje a hodnocení nejsou podrobnosti poradenství poskytnutého společnosti zveřejněny. Je tomu tak proto, že zveřejnění informací v této fázi by mohlo narušit snahy v oblasti výzkumu a vývoje a odradit tak od výzkumu nových léčivých přípravků.

Informace jsou však zveřejněny, jakmile je léčivému přípravku udělena registrace.

V červnu 2018 začala agentura EMA zveřejňovat podrobnější informace o vědeckém poradenství poskytnutém v rámci vývoje léčivých přípravků ve zprávě o hodnocení léčivých přípravků, které získaly podporu v rámci iniciativy PRIME agentury EMA (jako jsou léčivé přípravky, které jsou zaměřeny na nemoci, pro něž neexistuje žádná uspokojivá léčba a u nichž jsou počáteční výsledky slibné). Tato iniciativa byla zavedena pro všechny léčivé přípravky, pro něž byly zprávy o hodnocení dokončeny po 1. lednu 2019.

Konkrétně je na začátku zprávy o hodnocení uvedeno shrnutí otázek výrobce a v příslušných oddílech zprávy se nacházejí klíčové body poskytnutého poradenství. Zpráva také uvádí, zda se společnost tímto poradenstvím řídila.

Zprávy o hodnocení léčivých přípravků jsou zveřejňovány na internetových stránkách agentury EMA, jakmile Evropská komise vydá konečné rozhodnutí o registraci.

Úplné poradenství lze navíc zpřístupnit na požádání.

Vědecké poradenství je jedním z hlavních zdrojů při aktualizování vědeckých pokynů agentury EMA k vývoji léčivých přípravků. Pokyny pro konkrétní onemocnění jsou pravidelně aktualizovány, aby zahrnovaly poznatky a odborné znalosti získané v rámci vědeckého poradenství a hodnocení léčivých přípravků. Výsledky vědeckého poradenství se takto zpřístupní všem.

## Jaká opatření zajišťují v rámci vědeckého poradenství nezávislost odborníků?

**Agentura EMA prověřuje prohlášení o zájmech každého odborníka před jeho zapojením do vědeckého poradenství a hrozí-li, že by jakékoli jeho zájmy mohly narušit nestrannost, uplatní určitá omezení.**

Byly zavedeny [politiky agentury EMA týkající se řešení střetů zájmů](#), které mají omezit zapojení členů, odborníků a zaměstnanců s možnými střety zájmů do práce agentury a zároveň zajistit, aby agentura měla i nadále přístup k těm nejlepším dostupným odborným znalostem.

Členové Pracovní skupiny pro vědecké poradenství a všichni ostatní zapojení odborníci předkládají před tím, než se zapojí do činnosti agentury EMA, prohlášení o zájmech.

Agentura u každého prohlášení o zájmech určí míru rizika na základě toho, zda má odborník přímé či nepřímé zájmy (finanční či jiné), které by mohly ovlivnit jeho nestrannost. Před zahájením nového postupu vědeckého poradenství kontroluje agentura EMA prohlášení o zájmech všech členů a odborníků, a pokud je odhalen střet zájmů, omezí práva dotyčného člena nebo odborníka.

K omezení patří neúčast na diskusích o určitých tématech či vyloučení z hlasování o daném tématu.

## Vědecké poradenství – podrobnosti o postupu

Dva odborníci s pomocí nezávislých týmů provedou samostatná hodnocení, přičemž jsou konzultováni další odborníci a zúčastněné strany.



# 03

## Hodnocení

### Co se děje před zahájením hodnocení léčivého přípravku?

**Několik měsíců před zahájením hodnocení poskytne agentura EMA výrobcům léčivých přípravků pokyny, aby zajistila, že jejich žádost o registraci bude splňovat právní a regulační požadavky, čímž se zamezí zbytečným průtahům.**

K udělení registrace musí výrobci léčivých přípravků předložit určité údaje o svém léčivém přípravku. Agentura EMA poté provede důkladné posouzení těchto údajů, aby rozhodla, zda je léčivý přípravek bezpečný, účinný a kvalitní, a tudíž vhodný k použití u pacientů.

Agentura EMA poskytuje společnostem [pokyny](#) ohledně typu informací, které musí být uvedeny v žádosti o registraci.

Zhruba šest až sedm měsíců před podáním žádosti se mohou výrobci léčivých přípravků setkat s agenturou EMA, aby se ujistili, že jejich žádost odpovídá právním a regulačním požadavkům. To znamená, že žádost zahrnuje veškeré aspekty požadované [právními předpisy EU](#) a potřebné k prokázání toho, že léčivý přípravek působí tak, jak bylo zamýšleno.

Těchto schůzek se účastní široká škála zaměstnanců agentury EMA odpovědných za nejrůznější oblasti, jako jsou kvalita, bezpečnost a účinnost, řízení rizik či aspekty týkající se pediatrické populace, kteří se žádostí zabývají během hodnocení.

Agentura EMA podporuje výrobce, aby o tyto schůzky před podáním žádosti o registraci žádali, jelikož mají za cíl zvýšit kvalitu žádostí a zamezit zbytečným průtahům.

### *Kdo nese náklady na hodnocení léčivých přípravků?*

Evropské právní předpisy stanoví, že farmaceutické společnosti přispívají na náklady na regulaci léčivých přípravků. Jelikož společnosti vydělávají na prodeji léčivých přípravků, je spravedlivé, aby hradily většinu finančních nákladů na jejich regulaci. To znamená, že evropští daňoví poplatníci se nemusí podílet na všech nákladech na zajištění bezpečnosti a účinnosti léčivých přípravků.

Společnosti platí administrativní poplatek před zahájením hodnocení agenturou EMA. Příslušný administrativní poplatek za každý postup je stanoven právními předpisy EU.



## Jaké informace je třeba předložit v žádosti o registraci?

**Údaje v žádosti o registraci předložené výrobcí léčivých přípravků musí být v souladu s právními předpisy EU. Musí zahrnovat širokou škálu informací, včetně informací o způsobu výroby léčivého přípravku, o jeho účincích v rámci laboratorních studií, o přínosech a nežádoucích účincích pozorovaných u pacientů, o tom, jak budou řízena rizika, jakož i navrhované informace, které mají být poskytnuty pacientům a lékařům.**

Údaje uvedené v žádosti o registraci musí zahrnovat informace o:

- ▶ skupině pacientů, která má být daným léčivým přípravkem léčena, a o tom, zda existuje nenaplněná lékařská potřeba, kterou léčivý přípravek vyřeší,
- ▶ kvalitě léčivého přípravku, včetně jeho chemických a fyzikálních vlastností, jako jsou stabilita, čistota a biologická aktivita,
- ▶ souladu s mezinárodními požadavky na laboratorní studie, výrobu léčivého přípravku a provádění klinických studií („[správná laboratorní praxe](#)“, „[správná klinická praxe](#)“ a „[správná výrobní praxe](#)“),
- ▶ mechanismu účinku léčivého přípravku, jak byl zkoumán v laboratorních studiích,
- ▶ distribuci léčivého přípravku v organismu a o tom, jak je z organismu vylučován,
- ▶ pozorovaných přínosech ve skupině pacientů, pro něž je léčivý přípravek určen,
- ▶ nežádoucích účincích léčivého přípravku, které jsou pozorovány u pacientů, včetně zvláštních populací, jako jsou děti a starší osoby,
- ▶ způsobu řízení a sledování rizik, jakmile bude léčivý přípravek registrován,
- ▶ tom, jaké informace mají být shromažďovány v rámci navazujících studií po registraci.

Informace o jakýchkoli (známých či možných) bezpečnostních obavách ohledně léčivého přípravku, způsobu řízení a sledování rizik, jakmile bude léčivý přípravek registrován, a o tom, jaké informace mají být shromažďovány v rámci navazujících studií po registraci, jsou podrobně popsány v dokumentu zvaném „plán řízení rizik“. Aby byla zajištěna vhodnost tohoto plánu, hodnotí jej bezpečnostní výbor agentury EMA, výbor [PRAC](#).

Výrobce musí také předložit informace, které budou poskytnuty pacientům a zdravotnickým pracovníkům (např. souhrn údajů o přípravku, označení na obalu a příbalová informace), přičemž tyto informace musí být přezkoumány a schváleny výborem CHMP.

## Odkud tyto údaje pocházejí?

Většina údajů o léčivém přípravku shromážděných během jeho vývoje pochází ze studií financovaných výrobcem daného přípravku. Žadatel musí také předložit jakékoli jiné dostupné údaje o léčivém přípravku (například ze studií dostupných v lékařské literatuře) a tyto údaje budou vyhodnoceny.

Studie, které slouží jako podklady pro udělení registrace léčivého přípravku, musí splňovat přísná pravidla a jsou prováděny za regulovaných podmínek. Na uspořádání studie, zaznamenávání výsledků a podávání zpráv se uplatňují mezinárodní normy zvané [správná klinická praxe](#), aby bylo zajištěno, že jsou studie vědecky podloženy a že jsou prováděny etickým způsobem. Typ důkazů, které jsou třeba k určení přínosů a rizik léčivého přípravku, stanoví právní předpisy EU a výrobci léčivých přípravků je musí dodržovat. Agentura EMA může požádat o inspekci, aby ověřila soulad s těmito normami.

Agentura podporuje provádění vysoce kvalitních studií prostřednictvím iniciativ, jako jsou [Enpr-EMA](#) a [ENCePP](#), v rámci kterých jsou sdružovány odborné znalosti z různých nezávislých akademických center v celé Evropě. Díky těmto iniciativám mohou důkazy poskytnuté výrobcí léčivých přípravků doplnit další zdroje důkazů, zejména v rámci nepřetržitého sledování bezpečnosti léčivého přípravku po jeho registraci.



## Jaká je klíčová zásada v rámci hodnocení léčivého přípravku?

**Klíčovou zásadou v rámci hodnocení léčivého přípravku je poměr jeho přínosů a rizik. Léčivý přípravek může být registrován pouze tehdy, pokud jeho přínosy převyšují rizika.**

Všechny léčivé přípravky mají své přínosy, stejně jako rizika. Při hodnocení důkazů shromážděných o léčivém přípravku rozhoduje agentura EMA o tom, zda jeho přínosy převyšují jeho rizika u skupiny pacientů, pro kterou je léčivý přípravek určen.

Navíc jelikož v době počáteční registrace léčivého přípravku není o jeho bezpečnosti známo vše, je nedílnou součástí hodnocení způsob [minimalizace rizik](#) a jejich řízení a sledování, jakmile bude léčivý přípravek hojněji používán, přičemž tento způsob je při registraci také schvalován.

Ačkoli se registrace léčivého přípravku zakládá na celkovém příznivém poměru přínosů a rizik na úrovni populace, je každý pacient jiný a před použitím léčivého přípravku by měli lékaři a jejich pacienti posoudit, zda se jedná o vhodnou možnost léčby pro daný případ na základě informací dostupných o daném léčivém přípravku a o pacientově konkrétní situaci.



### Věděli jste, že...?

*V některých případech, například pokud je léčivý přípravek určen k léčbě [onemocnění ohrožujícího život](#), pro něž neexistuje žádná uspokojující léčba, nebo je-li toto [onemocnění velmi vzácné](#), může agentura EMA doporučit registraci na základě méně úplných či omezených důkazů o léčivém přípravku, za předpokladu, že další údaje budou poskytnuty později.*

*Stejně jako u všech registrací musí být prokázáno, že přínosy léčivého přípravku převyšují jeho rizika.*

## Kdo je do hodnocení žádostí o registraci zapojen?

**Žádosti vyhodnocuje výbor odborníků (CHMP). Každý člen výboru je podporován týmem hodnotitelů.**

[Výbor pro humánní léčivé přípravky](#) (CHMP) agentury EMA hodnotí žádosti podané výrobcí léčivých přípravků a vydává doporučení, zda by měla být léčivému přípravku udělena registrace. Výbor se skládá z jednoho člena a jednoho náhradníka z každého členského státu EU, jakož i z Islandu a Norska. Má také až pět unijních odborníků v příslušných oblastech, jako je statistika a kvalita léčivých přípravků, kteří jsou jmenováni Evropskou komisí.

Při provádění hodnocení je každý z členů výboru CHMP podporován týmem hodnotitelů ve vnitrostátních agenturách, kteří mají rozsáhlé odborné znalosti a sledují různé aspekty léčivého přípravku, jako jsou bezpečnost, kvalita a způsob jeho působení.

Výbor CHMP během hodnocení rovněž spolupracuje s dalšími výbory agentury EMA. K těmto výborům patří: výbor [CAT](#), který vede hodnocení léčivých přípravků pro moderní terapie (genovou terapii, tkáňové inženýrství a léčivé přípravky pro buněčné terapie); výbor [PRAC](#), který se zabývá aspekty týkajícími se k bezpečnosti a řízení rizik léčivých přípravků; výbor [PDCO](#), který se věnuje aspektům vztahujícím se k používání léčivých přípravků u dětí; a výbor [COMP](#), který se zabývá léčivými přípravky pro vzácná onemocnění.

## Jak výbor CHMP pracuje?

### Ústředním bodem hodnocení výboru CHMP jsou vzájemná hodnocení a společná rozhodnutí.

U každé žádosti pro nový léčivý přípravek jsou jmenováni dva členové výboru – zpravodaj a spoluzpravodaj – z různých zemí, aby vedli hodnocení (u generik je jmenován pouze jeden zpravodaj). Jsou jmenováni na základě objektivních kritérií, aby byly co nejlépe využity dostupné odborné znalosti v EU.

Úlohou zpravodaje a spoluzpravodaje je provádět na sobě nezávislé vědecké hodnocení léčivého přípravku. Každý z nich sestaví hodnotící tým tvořený hodnotiteli z jejich vnitrostátních agentur a někdy z jiných vnitrostátních agentur.

Ve svých zprávách o hodnocení každý tým shrnuje údaje ze žádosti, předkládá své posouzení účinků léčivého přípravku a své názory na nejasnosti a omezení údajů. Zároveň určí otázky, které bude muset žadatel zodpovědět. Tato dvě nezávislá hodnocení berou v potaz regulatorní požadavky, příslušné vědecké pokyny a zkušenosti z hodnocení podobných léčivých přípravků.

Kromě zpravodaje a spoluzpravodaje jmenuje výbor CHMP také jednoho či více vzájemných hodnotitelů z řad členů výboru CHMP. Jejich úkolem je sledovat, jakým způsobem jsou obě hodnocení prováděna, a zajistit, že vědecké argumenty jsou podloženy, jasné a pádné.

Na postupu hodnocení se aktivně podílejí i všichni členové výboru CHMP, kteří diskutují s kolegy a odborníky ve svých vnitrostátních agenturách. Přezkoumávají hodnocení provedená zpravodaji, vznášejí připomínky a určují dodatečné otázky, které musí žadatel zodpovědět. Výchozí hodnocení a připomínky vzájemných hodnotitelů a dalších členů výboru jsou poté projednány na plenárním zasedání výboru CHMP.

Výsledkem diskusí a nově dostupných informací získaných během hodnocení, ať už od dalších odborníků, nebo z vysvětlení poskytnutých žadatelem, jsou zdokonalené vědecké argumenty, na základě nichž je vytvořeno konečné doporučení, jež představuje analýzu daných údajů provedenou

výborem a jeho stanovisko k nim. To může někdy například znamenat, že názor výboru na přínosy a rizika léčivého přípravku se může během hodnocení změnit a lišit se od výchozího hodnocení zpravodajů.

## Může výbor CHMP během hodnocení požádat o více informací?

Během hodnocení vznášejí výbor CHMP otázky k důkazům uvedeným v žádosti a žádá žadatele, aby předložil vysvětlení nebo dodatečné analýzy k těmto otázkám. Odpovědi musí být poskytnuty ve stanovené lhůtě.

Výbor CHMP může vznést námitky nebo vyjádřit obavy, které se vztahují k jakémukoli aspektu daného léčivého přípravku. Nejsou-li zásadní námitky vyřešeny, registrace není udělena.

Zásadní námitky se mohou kupříkladu vztahovat ke způsobu, jakým byl léčivý přípravek zkoumán, způsobu jeho výroby nebo k účinkům zaznamenaným u pacientů, jako je rozsah přínosů nebo závažnost nežádoucích účinků.

## Na jaké další odborné znalosti se výbor CHMP může spoléhat?

### Aby došlo k obohacení vědecké diskuse, jsou během hodnocení často konzultováni odborníci s vědeckými znalostmi nebo klinickými zkušenostmi z určitého oboru.

Kdykoli během hodnocení může výbor CHMP požádat další odborníky o poradenství ohledně konkrétních otázek, které během hodnocení vyvstaly.

Výbor CHMP může požádat o podporu a zodpovězení konkrétních otázek své [pracovní skupiny](#), které mají odborné znalosti v určitém oboru, jako je např. biostatistika, nebo v terapeutické oblasti, jako jsou např. nádorová onemocnění. Členové pracovních skupin agentury EMA mají důkladné

znalosti nejnovějšího vědeckého vývoje ve své oblasti odbornosti.

Výbor si také může vyžádat externí odborníky prostřednictvím svých [vědeckých poradních skupin](#) nebo ad hoc odborných skupin. Tyto skupiny, do nichž jsou zapojeni zdravotničtí pracovníci a pacienti, jsou požádány o zodpovězení konkrétních otázek ohledně možného použití a hodnoty daného léčivého přípravku v klinické praxi.



### Věděli jste, že...?

Externí odborníci jsou v rámci hodnocení nových léčivých přípravků (s výjimkou generik) konzultováni zhruba ve čtvrtině případů.



### Věděli jste, že...?

Agentura EMA si pravidelně vyměňuje názory v souvislosti s probíhajícími hodnoceními léčivých přípravků s dalšími regulačními agenturami, jako jsou Úřad pro potraviny a léčiva Spojených států, Ministerstvo zdravotnictví Kanady (Health Canada) a japonské regulační orgány. Tyto [diskuse](#) se mohou týkat například klinických a statistických otázek, strategií řízení rizik a studií, které mají být provedeny po registraci.

## Jak jsou zapojeni pacienti a zdravotničtí pracovníci?

**Pacienti a zdravotničtí pracovníci chápou problémy „zevnitř“. Proto jsou konzultováni jako odborníci a vyjadřují se, zda léčivý přípravek odpovídá jejich potřebám.**

Pacienti a zdravotničtí pracovníci jsou vyzváni, aby se jako odborníci zapojili do vědeckých poradních skupin a ad hoc odborných skupin. Pacienti přispívají k diskusím tím, že například upozorní na svoji zkušenost s jistým onemocněním, na své potřeby a na to, jaká rizika by považovali za přijatelná s ohledem na očekávané přínosy. Zdravotničtí pracovníci mohou poskytnout rady ohledně skupin pacientů s nenaplněnými potřebami nebo proveditelnosti opatření navržených s cílem snížit rizika spojená s léčivým přípravkem v klinické praxi.

Jednotliví pacienti mohou být taktéž pozváni k účasti na plenárním zasedání výboru CHMP, ať už osobní, nebo prostřednictvím telekonference, případně mohou být konzultováni písemně (výsledek [pilotního projektu](#) je k dispozici na internetových stránkách agentury EMA).



### Věděli jste, že...?

V roce 2018 se pacienti a zdravotničtí pracovníci zapojili do hodnocení přibližně jednoho ze čtyř nových léčivých přípravků (kromě generik).

## Jaká opatření zajišťují nezávislost odborníků?

**Nezávislost je zajištěna vysokou úrovní transparentnosti a uplatňováním omezení, pokud hrozí, že by určité zájmy mohly narušit nestrannost.**

Byly zavedeny [politiky agentury EMA týkající se řešení střetů zájmů](#), které mají omezit zapojení členů, odborníků a zaměstnanců s možnými střety zájmů do práce agentury a zároveň zajistit, aby agentura měla i nadále přístup k těm nejlepším dostupným odborným znalostem.

Členové a odborníci výborů, pracovních skupin a vědeckých poradních skupin či ad hoc odborných skupin předkládají prohlášení o zájmech před tím, než se jakkoli zapojí do činnosti agentury EMA.

Agentura u každého prohlášení o zájmech určí míru rizika na základě toho, zda má odborník přímé či nepřímé zájmy (finanční či jiné), které by mohly ovlivnit jeho nestrannost. Před zapojením do konkrétní činnosti agentury EMA zkontroluje agentura prohlášení o zájmech. Pokud odhalí střet zájmů, omezí práva dotčeného člena nebo odborníka.

K omezení patří neúčast na diskusích o určitých tématech či vyloučení z hlasování o daném tématu. Prohlášení o zájmech členů a odborníků a informace o uplatněných omezeních během zasedání vědeckého výboru jsou veřejně dostupné v [zápisech ze zasedání](#).

Pravidla pro odborníky, kteří jsou členy vědeckých výborů, jsou přísnější než pravidla pro odborníky působící v poradních skupinách a v ad hoc odborných skupinách. Takto se může agentura EMA v rámci poradních skupin opírat o ty nejlepší odborné znalosti s cílem shromáždit co nejrelevantnější a nejucelenější informace a uplatňovat přísnější pravidla, pokud jde o rozhodování.

Podobně jsou požadavky na předsedy a členy ve vedoucí pozici, například na zpravodaje, přísnější než požadavky na ostatní členy výborů.

Členové výborů, pracovních skupin, vědeckých poradních skupin (a odborníci účastníci se těchto zasedání), jakož i zaměstnanci agentury EMA musí navíc dodržovat zásady stanovené v [kodexu chování agentury EMA](#).

## Jak vydává výbor CHMP své konečné doporučení?

Výbor CHMP dospěje ke konečnému doporučení na základě oficiálního hlasování. V ideálním případě dosáhne výbor CHMP shody a jednomyslně doporučí schválení či zamítnutí registrace, to nastane v 90 % případů. Pokud však konečného doporučení nelze dosáhnout shodou, představuje konečné doporučení výboru většinový postoj.

## Jaké informace jsou veřejně dostupné během hodnocení nového léčivého přípravku a jaké po přijetí rozhodnutí?

**Agentura EMA zajišťuje vysokou úroveň transparentnosti v rámci svých hodnocení léčivých přípravků tak, že zveřejňuje pořady jednání zasedání a zápisy z nich, zprávy popisující, jak byl léčivý přípravek hodnocen, a výsledky klinických studií, které výrobci léčivých přípravků předložili ve svých žádostech.**



### Věděli jste, že...?

*Prohlášení o zájmech všech odborníků, včetně pacientů a zdravotnických pracovníků, kteří se účastní činností agentury EMA, jsou zveřejněna na internetových stránkách agentury EMA. Agentura EMA rovněž zveřejňuje [výroční zprávy](#) o své nezávislosti, které uvádějí fakta a číselné údaje o prohlášených zájmech a následných omezeních.*

Seznam nových léčivých přípravků, které jsou hodnoceny výborem CHMP, je dostupný na internetových stránkách agentury EMA a je [aktualizován](#) každý měsíc.

Agentura EMA rovněž [zveřejňuje](#) pořady jednání všech zasedání výboru a zápisy z nich, v nichž lze nalézt informace o fázi hodnocení.

Jakmile je přijato rozhodnutí o udělení nebo zamítnutí registrace, zveřejní agentura EMA ucelený soubor dokumentů zvaný [Evropská veřejná zpráva o hodnocení \(EPAR\)](#). Ten zahrnuje veřejnou zprávu o hodnocení výborem CHMP, která podrobně popisuje hodnocené údaje a proč výbor CHMP doporučil udělit či zamítnout registraci.

U žádostí obdržených po 1. lednu 2015 zveřejňuje agentura EMA také výsledky klinických studií, které předložili výrobci léčivých přípravků na podporu svých žádostí o registraci. U starších žádostí lze výsledky klinických studií získat prostřednictvím [žádosti o přístup k dokumentu](#).

Podrobné informace o tom, co a kdy agentura EMA zveřejňuje o humánních léčivých přípravcích od prvotního vývoje po výchozí hodnocení a poregistrační změny, naleznete v [Průvodci informacemi o humánních léčivých přípravcích hodnocených agenturou EMA](#).



### **Věděli jste, že...?**

*Od října 2018 zveřejnila agentura EMA výsledky klinických studií, které výrobci léčivých přípravků předložili ve svých žádostech pro více než 100 léčivých přípravků, jež agentura EMA v poslední době hodnotila. Výsledky těchto studií jsou dostupné k veřejné kontrole na [internetových stránkách](#) agentury EMA vyhrazených pro klinické údaje.*



## Kalendář hodnocení léčivého přípravku

Hodnocení žádosti týkající se nového léčivého přípravku trvá až 210 „aktivních“ dnů. Tímto obdobím aktivního hodnocení se rozumí čas, který odborníci agentury EMA stráví hodnocením důkazů, které předložil žadatel na podporu své žádosti o registraci. Toto období je přerušeno dvěma „pozastaveními“, během nichž žadatel vypracovává odpovědi na veškeré otázky vznesené výborem CHMP. Maximální doba trvání pozastavení závisí na tom, jak dlouho se žadatel domnívá, že mu bude zodpovězení otázek trvat, tato doba však musí být schválena výborem CHMP. První pozastavení obvykle trvá 3 až 6 měsíců a druhé 1 až 2 měsíce. Celkově trvá hodnocení nového léčivého přípravku okolo jednoho roku.



### Věděli jste, že...?

Doba hodnocení může být zkrácena z 210 na 150 dnů, pokud je pro léčivý přípravek schváleno „zrychlené hodnocení“. To je možné u léčivých přípravků, které jsou zvláště významné pro veřejné zdraví, například přípravky, které jsou zaměřeny na onemocnění, u nichž neexistují možnosti léčby, a které mají potenciál řešit nenaplněné lékařské potřeby.

### Výchozí hodnocení a seznam otázek

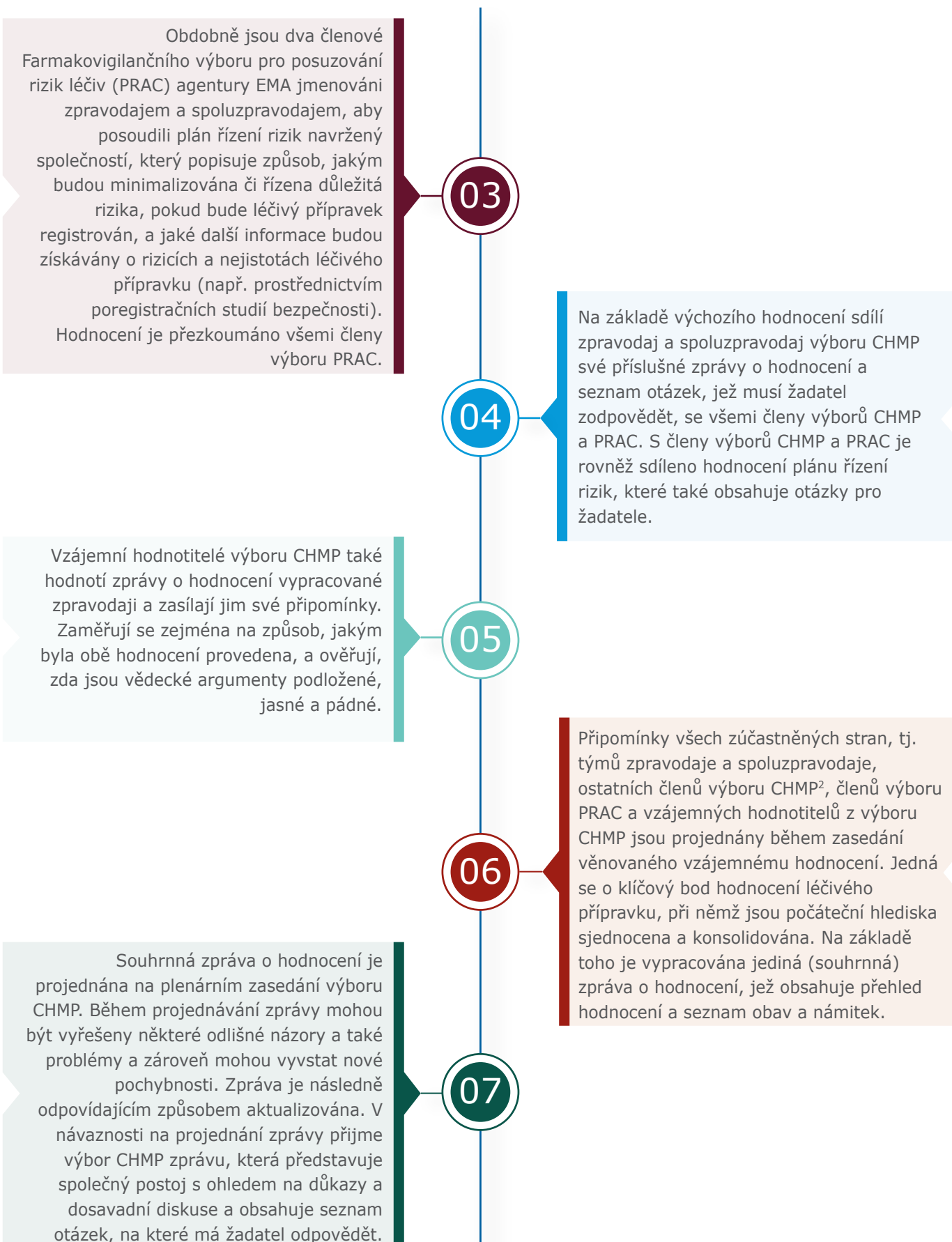
Týmy zpravodaje a spoluzpravodaje výboru CHMP<sup>1</sup> hodnotí důkazy poskytnuté o léčivém přípravku a nezávisle připravují své zprávy o hodnocení, v nichž poukazují na otázky a obavy, kterými se má žadatel zabývat.

01

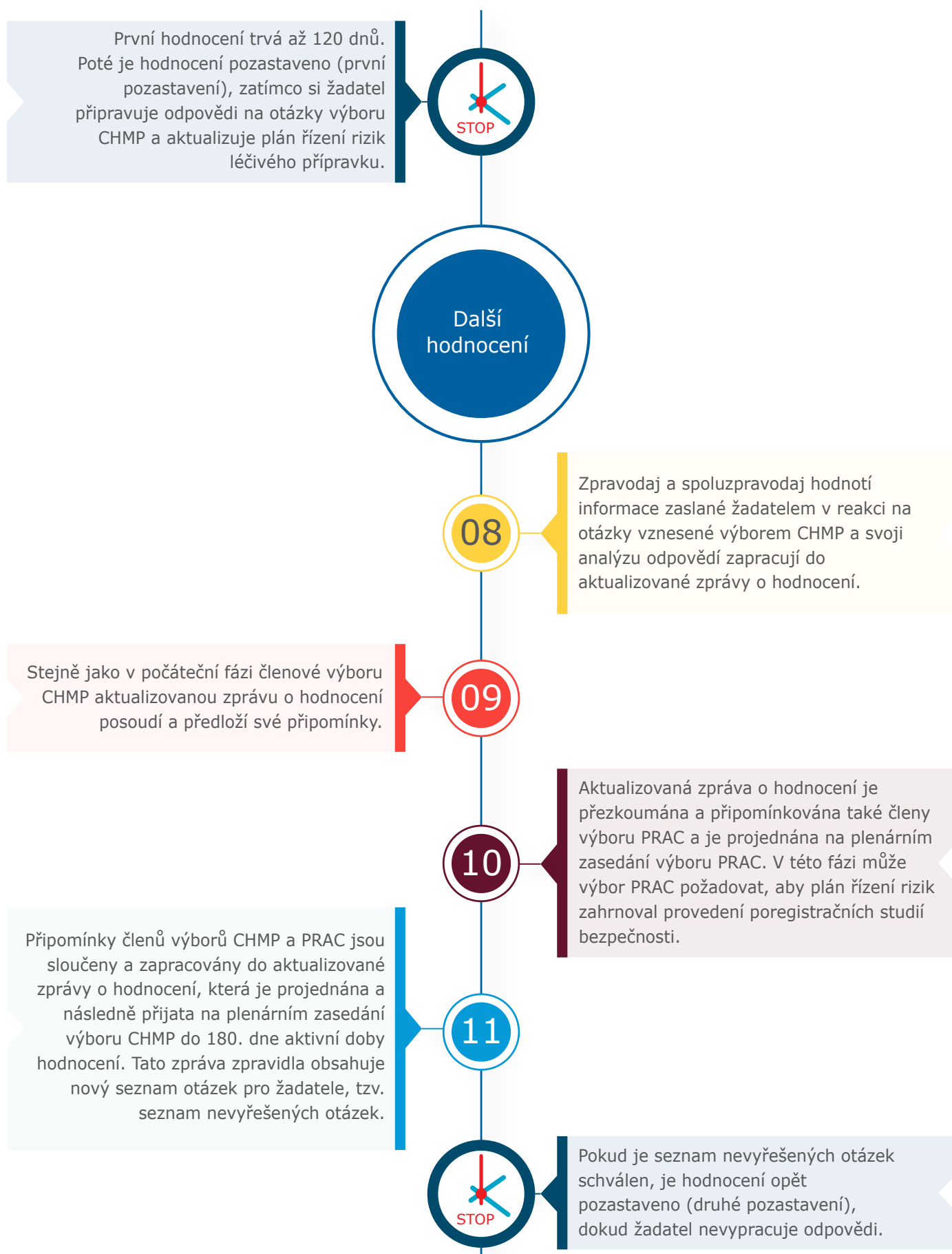
02

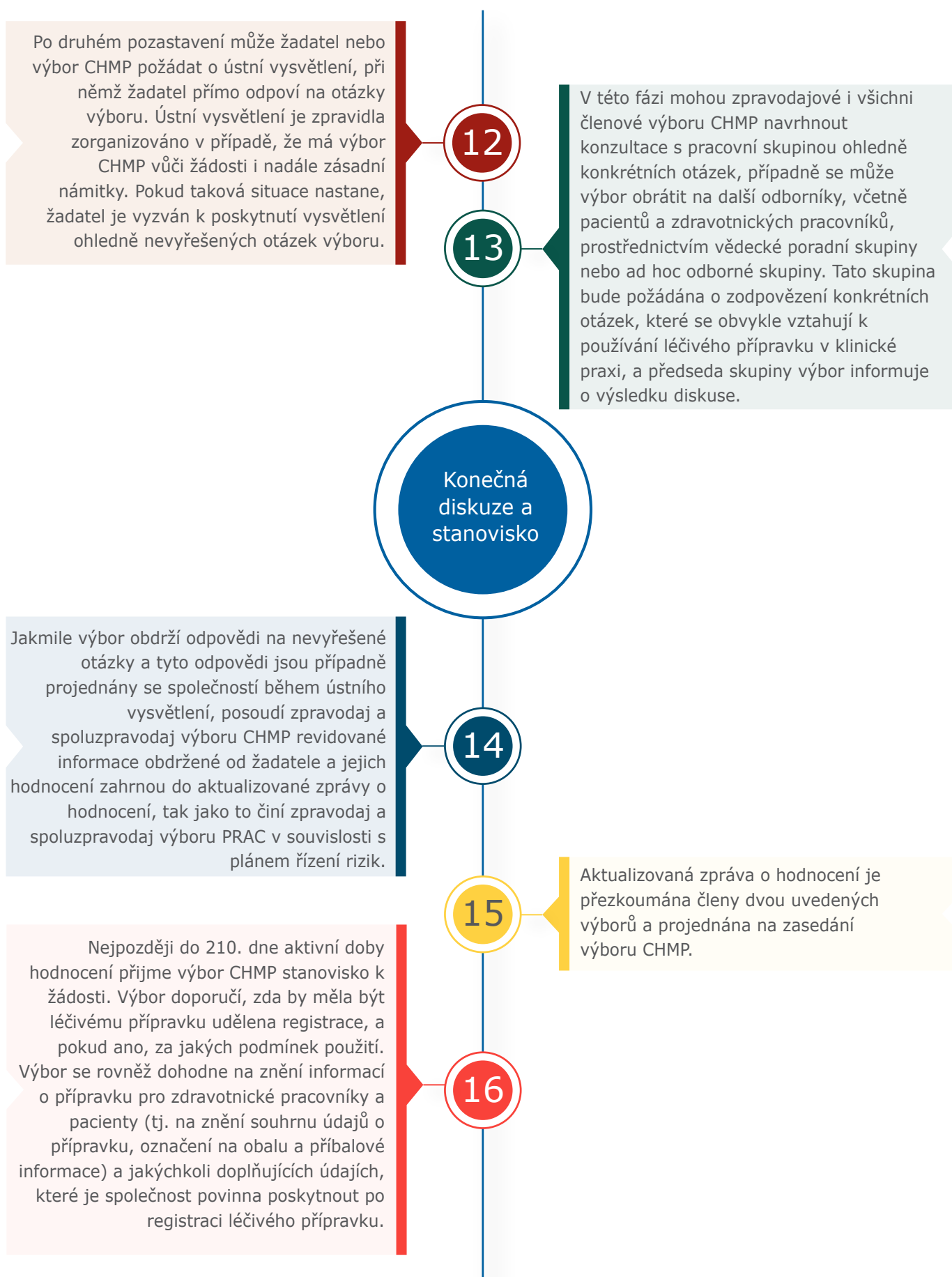
V této fázi mohou zpravodajové doporučit inspekci místa výroby léčivého přípravku, místa neklinické nebo klinické studie nebo procesů farmakovigilance uvedených v žádosti. Jestliže to výbor schválí, inspekci provedou inspektoři z vnitrostátních agentur EU.

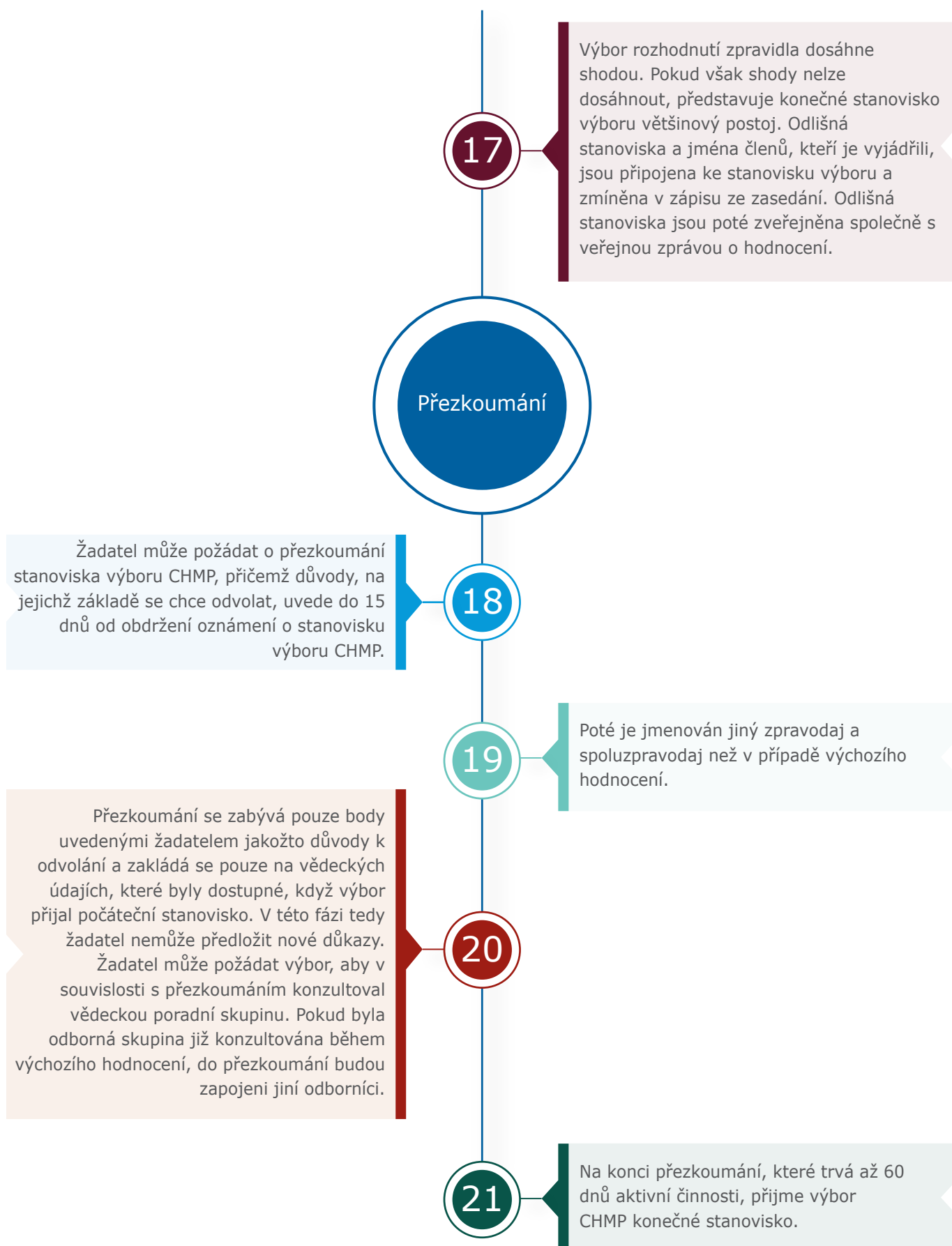
<sup>1</sup> V případě léčivého přípravku pro moderní terapii jsou zpravodajové jmenováni z řad členů Výboru pro moderní terapie (CAT) agentury EMA, přičemž všichni spolupracují s koordinátorem z výboru CHMP.



<sup>2</sup> Do případů týkajících se přípravků pro moderní terapie jsou zapojeni rovněž členové výboru CAT.









# 04

## Registrace



### Kdo uděluje registraci pro celou EU?

Agentura EMA je vědecký subjekt s odbornými znalostmi potřebnými k hodnocení přínosů a rizik léčivých přípravků. Podle práva EU však nemá pravomoc skutečně povolit jejich dodávání na trh v různých zemích EU. Úlohou agentury EMA je vydat doporučení Evropské komisi, která následně přijme konečné právně závazné rozhodnutí, zda lze léčivý přípravek dodávat na trh v EU. Toto rozhodnutí je vydáno do 67 dnů od obdržení doporučení agentury EMA. Registraci pro všechny centrálně registrované léčivé přípravky tedy uděluje Komise.

Rozhodnutí Komise jsou zveřejněna v [rejstříku humánních léčivých přípravků Unie](#).



#### **Věděli jste, že...?**

*Většinu nových, inovativních léčivých přípravků hodnotí agentura EMA a registraci za účelem jejich dodávání na trh v EU jim uděluje Evropská komise, zatímco většina generických léčivých přípravků a léčivých přípravků, které jsou dostupné bez lékařského předpisu, se v EU posuzuje a registruje na vnitrostátní úrovni. Kromě toho byly na vnitrostátní úrovni schváleny mnohé starší léčivé přípravky, jež jsou v současnosti dostupné, jelikož byly dodávány na trh před zřízením agentury EMA. Většina členských států má [rejstříky vnitrostátně registrovaných léčivých přípravků](#).*

# 05

## Přístup

### Kdo rozhoduje o pacientovu přístupu k léčivému přípravku?

**Jakmile je léčivému přípravku udělena registrace pro celou EU, jsou rozhodnutí o stanovování cen a úhradách přijímána na vnitrostátní a regionální úrovni. Tato rozhodnutí musí být učiněna v rámci vnitrostátního systému zdravotní péče každé země, proto nemá agentura EMA při rozhodování o stanovování cen a úhradách žádnou úlohu. Nicméně aby tyto postupy usnadnila, spolupracuje agentura s vnitrostátními subjekty, jako jsou například subjekty pro hodnocení zdravotnických technologií.**

Léčivé přípravky, kterým udělí registraci Evropská komise, mohou být dodávány na trh v celé EU. O tom, ve kterých zemích EU bude léčivý přípravek dodáván na trh, však rozhoduje společnost, která je držitelem registrace.

Rozhodnutí ohledně stanovení cen a úhrad jsou navíc v konkrétní zemi EU přijímána na vnitrostátní a regionální úrovni v rámci vnitrostátního systému zdravotní péče před tím, než je léčivý přípravek zpřístupněn pacientům.

Agentura EMA nemá při rozhodování o stanovení cen a úhradách žádnou roli. V zájmu usnadnění těchto postupů však agentura spolupracuje se [subjekty pro hodnocení zdravotnických technologií](#), které posuzují relativní účinnost nového léčivého přípravku ve srovnání se stávajícími léčivými přípravky, a se subjekty hradícími zdravotní péči v EU, kteří posuzují

nákladovou efektivnost léčivého přípravku, jeho dopad na rozpočtové prostředky na zdravotní péči a závažnost onemocnění.

Cílem této spolupráce je najít nejlepší způsob, jak mohou výrobci léčivých přípravků během jejich vývoje splnit potřeby regulačních orgánů pro léčivé přípravky i subjektů hradících zdravotní péči v EU, nikoli získat nové údaje po registraci přípravků. Jestliže lze během rané fáze vývoje léčivého přípravku vytvořit jeden soubor důkazů uspokojující všechny tyto skupiny, mělo by to urychlit a usnadnit rozhodování o stanovování cen a úhradách na vnitrostátní úrovni. Aby toho bylo dosaženo, nabízí agentura EMA a [Evropská síť pro hodnocení zdravotnických technologií](#) (EUnetHTA) výrobcům léčivých přípravků možnost dostávat [souběžné, koordinované poradenství](#) ohledně jejich plánů vývoje.

Do těchto konzultací jsou obvykle zapojeni zástupci pacientů, aby mohly být jejich názory a zkušenosti zahrnuty do diskusí.



#### Věděli jste, že...?

*V roce 2018 bylo na žádost o poradenství poskytnuto poradenství současně agenturou EMA i subjekty pro hodnocení zdravotnických technologií během vývoje 27 léčivých přípravků. Ve dvou třetinách těchto případů byli zapojeni i pacienti.*



# 06

## Sledování bezpečnosti

### Jak je zaručena bezpečnost léčivého přípravku po jeho dodání na trh?

Jakmile je léčivý přípravek registrován k použití v EU, agentura EMA a členské státy EU nepřetržitě sledují jeho bezpečnost a v případě, že z nových informací vyplývá, že léčivý přípravek již není tak bezpečný a účinný, jak se původně předpokládalo, přijmou opatření.

Sledování bezpečnosti léčivých přípravků zahrnuje několik rutinních činností včetně: posuzování způsobu, jakým budou rizika, která jsou s léčivým přípravkem spojena, řízena a sledována po jeho registraci; nepřetržitého sledování podezření na nežádoucí účinky ohlášených pacienty nebo zdravotnickými pracovníky, odhalených v nových klinických studiích nebo zveřejněných ve vědeckých publikacích; pravidelného hodnocení zpráv předložených společnostmi, která je držitelem registrace, ohledně poměru přínosů a rizik léčivého přípravku v reálném životě a hodnocení plánů na peregistrační studie bezpečnosti, které jsou požadovány v době registrace, a jejich výsledků.

Na žádost členského státu nebo Evropské komise může agentura EMA také provést přezkum léčivého přípravku nebo třídy léčivých přípravků. Tyto tzv. postupy přezkoumání v rámci EU jsou obvykle zahájeny na základě obav souvisejících s bezpečností léčivého přípravku, účinností opatření k minimalizaci

rizik nebo poměrem přínosů a rizik léčivého přípravku.

Agentura EMA má specializovaný výbor odpovědný za hodnocení a sledování bezpečnosti léčivých přípravků, kterým je Farmakovigilanční výbor pro posuzování rizik léčiv (PRAC). Tím je zajištěno, že agentura EMA a členské státy EU mohou v případě, že je identifikován problém, velmi rychle reagovat a přijmout obratem nezbytná opatření na ochranu pacientů, jako je změna informací pro pacienty a zdravotnické pracovníky, omezení používání léčivého přípravku či pozastavení jeho registrace.

Další informace o farmakovigilančních činnostech naleznete na [internetových stránkách](#) agentury EMA.

**European Medicines Agency**

Domenico Scarlattilaan 6  
1083 HS Amsterdam  
The Netherlands

**Telephone** +31 (0)88 781 6000

**Send a question** [www.ema.europa.eu/contact](http://www.ema.europa.eu/contact)

**[www.ema.europa.eu](http://www.ema.europa.eu)**

Z laboratoře k pacientovi: cesta léčivých přípravků hodnocená EMA  
EMA/103813/2018 Rev. 1

© European Medicines Agency, 2020.

Reproduction is authorised provided the source is acknowledged.